

### Überlegene Wirkung des Antikörpers bei XLH

Die X-chromosomale Hypophosphatämie (XLH) ist eine seltene und schwerwiegende erblich bedingte Erkrankung des Knochenstoffwechsels, die mit chronischem Phosphatverlust einhergeht. Seit Anfang 2018 ist mit Burosumab (Crysvita®) erstmals ein Antikörper als Therapieoption für XLH zugelassen. Burosumab ermöglicht es, gezielt in die Pathogenese der XLH einzugreifen und eine Normalisierung der Phosphathomöostase zu erreichen. In einer klinischen Phase-III-Studie bei Kindern mit XLH wurde nun die Wirksamkeit von Burosumab mit der konventionellen Substitutionstherapie, die aus der oralen Verabreichung von Phosphat und aktivem Vitamin D besteht, verglichen. Die Studie zeigte bei Kindern mit XLH nach 40 Wochen unter Therapie mit Burosumab eine signifikante Verbesserung des Rachitis-Schweregrades sowie von Wachstum, Schmerzen und physischer Funktionalität.

Nach Informationen von Kyowa Kirin

### Positive Ergebnisse zu Dupilumab

Im Mai diesen Jahres wurden im New England Journal of Medicine ausführliche Ergebnisse zweier Phase-III-Studien über den Einsatz von Dupilumab als Prüfsubstanz in der Behandlung des mittelschweren bis schweren Asthmas veröffentlicht. Laut den Ergebnissen dieser Studien senkte Dupilumab das Risiko schwerer Asthmaanfälle (Exazerbationen) signifikant, verbesserte die Lungenfunktion und reduzierte die Abhängigkeit von oralen Kortikosteroiden. Diese beiden Studien, QUEST und VENTURE, gehören zum zulassungsrelevanten klinischen Studienprogramm zur Prüfung von Dupilumab in der Behandlung von Patienten mit unkontrolliertem Asthma.

Dupilumab ist ein vollständig humaner monoklonaler Antikörper, der speziell zur Hemmung der Signale von Interleukin 4 und 13 entwickelt wurde. Er wird derzeit für die Zulassung in mehreren Ländern einschließlich der USA, Japan und in der Europäischen Union als Add-on-Erhaltungstherapie bei Jugendlichen und Erwachsenen mit unkontrolliertem mittelschwerem bis schwerem Asthma geprüft.

Nach Informationen von Sanofi

## Erste kausale medikamentöse Therapie bei SMA seit einem Jahr verfügbar

— Seit Juli 2017 steht für Patienten mit 5q-assoziierter spinaler Muskelatrophie (SMA) erstmals eine kausale krankheitsmodifizierende medikamentöse Therapie zur Verfügung. Was sich schon in den Zulassungsstudien abgezeichnet hat, bestätigt nun auch die 1-jährige Anwendung in der Praxis: Die Behandlung mit dem Antisense-Oligonukleotid Nusinersen verlangsamt zumindest die Erkrankung, verbessert die Muskelfunktion und bietet den Betroffenen aller Altersstufen eine neue Lebensperspektive. Schwer von SMA betroffene Säuglinge und Kleinkinder überleben kaum 2 Jahre und motorische Meilensteine, wie zum Beispiel das Heben des Kopfes, freies Sitzen, Stehen oder Gehen sind für sie ohne Therapie unerreicht, berichtete Prof. Dr. Andreas Hahn vom Universitätsklinikum Gießen. Als Ursache der SMA nannte er einen Defekt des SMN1-Gens (Survival of Motor Neuron). Er führt dazu, dass das für die Produktion von Motoneuronen überlebenswichtige SMN-Protein nicht ausreichend gebildet wird. In der Folge gehen Motoneuronen zugrunde, sodass abhängige Muskulatur zunächst geschwächt wird und zunehmend atrophiert, Kognition und Schmerzempfin-

den der Patienten aber unbeeinflusst bleiben, so Hahn.

Nusinersen (Spinraza®) verstärkt als Genmodulator die natürliche Funktion des SMN2-Proteins ohne das Genom dauerhaft zu verändern, bewirkt so die Bildung vollständigen und funktionsfähigen SMN-Proteins und stellt letztlich das Überleben der Motoneuronen im Rückenmark sicher. Da Nusinersen intrathekal per Lumbalpunktion in den Liquorraum appliziert wird, sollte die Therapie Spezialisten vorbehalten bleiben. Niedergelassene Ärzte können die SMA-Diagnose einfach mit einem kostenfreien Gentest per Trockenblutkarte der Archimed Life Science GmbH stellen.

Dass Nusinersen klinisch relevant wirkt, konnte in Studien, aber inzwischen auch in der klinischen Praxis gezeigt werden. So verbesserte die Therapie in allen Altersgruppen zumindest die Muskelfunktion und stoppte die Progression der SMA. Besonders schwer betroffene Kinder mit infantiler SMA erreichen unter der Therapie erstmals die definierten motorischen Meilensteine. *Ute Ayazpoor*

Pressegespräch „Ein Jahr Nusinersen (Spinraza®), Erfahrungen mit dem ersten zugelassenen Wirkstoff bei 5q-assoziierter spinaler Muskelatrophie“; Frankfurt, 26. Juli 2018; Veranstalter: Biogen

## Videos unterstützen Therapieerfolg bei Kopflausbefall

— Für eine erfolgreiche Kopflaustherapie ist die korrekte Anwendung wichtige Voraussetzung. Viele Eltern sind zu Hause unsicher, ob sie alles richtig machen. Die neuen Anwendungsvideos des Kopflausexperten NYDA® auf [www.nyda.de](http://www.nyda.de) zeigen anschaulich, wie man gegen die Parasiten vorgeht, und geben Eltern damit Sicherheit bei der Behandlung. NYDA®, das am häufigsten verordnete Pedikulozid, ist für Kinder bis 12 Jahre verschreibungsfähig. Doch selbst wenn bei der Rezeptausstellung in der Praxis eine Anwendungserklärung erfolgt, sind Eltern oft so nervös, dass die Adhärenz leidet. Mit einem Hinweis auf die neuen NYDA®-Anwendungsvideos bekommen Patienten ein nützliches Instrument zur erfolgreichen Behandlung der Kopfläuse an die Hand.

In den etwa 1-minütigen Videos werden alle wichtigen Informationen rund um die Laus und ihre Bekämpfung klar und verständlich zusammengefasst. Kopflausbefalldiagnose, das rein physikalische Wirkprinzip des einzigartigen 2-Stufen-Dimeticons sowie Informationen zu begleitenden Maßnahmen rund um den Kopflausbefall sind die Themen. Abgerundet werden die Kurzfilme durch drei Anwendungsvideos zu NYDA®, NYDA® express und NYDA® plus – damit jeder Patient bei seiner individuellen Läusetherapie optimal begleitet werden kann. Die Videos und weitere Informationen rund um die Kopflaus sind unter [www.nyda.de](http://www.nyda.de) zu finden.

Nach Informationen von Pohl Boskamp